



Bruxelles, le 9.2.2024  
C(2024)963 (final)

## DÉCISION D'EXÉCUTION DE LA COMMISSION

du 9.2.2024

**portant autorisation de mise sur le marché conditionnelle conformément au règlement (CE) n° 726/2004 du Parlement européen et du Conseil pour le médicament orphelin à usage humain "Casgevy - exagamlogène autotemcel"**

(Texte présentant de l'intérêt pour l'EEE)

(LE TEXTE EN LANGUE ANGLAISE EST LE SEUL FAISANT FOI.)

# DÉCISION D'EXÉCUTION DE LA COMMISSION

du 9.2.2024

**portant autorisation de mise sur le marché conditionnelle conformément au règlement (CE) n° 726/2004 du Parlement européen et du Conseil pour le médicament orphelin à usage humain "Casevy - exagamglogène autotemcel"**

(Texte présentant de l'intérêt pour l'EEE)

(LE TEXTE EN LANGUE ANGLAISE EST LE SEUL FAISANT FOI.)

LA COMMISSION EUROPÉENNE,

vu le traité sur le fonctionnement de l'Union européenne,

vu le règlement (CE) n° 726/2004 du Parlement européen et du Conseil du 31 mars 2004 établissant des procédures de l'Union pour l'autorisation et la surveillance des médicaments à usage humain et instituant une Agence européenne des médicaments<sup>1</sup>, et notamment son article 10, paragraphe 2, et son article 14 *-bis*,

vu le règlement (CE) n° 141/2000 du Parlement européen et du Conseil, du 16 décembre 1999, concernant les médicaments orphelins<sup>2</sup>, et notamment son article 5, paragraphe 12,

vu le règlement (CE) n° 1394/2007 du Parlement européen et du Conseil du 13 novembre 2007 concernant les médicaments de thérapie innovante et modifiant la directive 2001/83/CE ainsi que le règlement (CE) n° 726/2004<sup>3</sup>,

vu le règlement (CE) n° 507/2006 de la Commission relatif à l'autorisation de mise sur le marché conditionnelle de médicaments à usage humain relevant du règlement (CE) n° 726/2004 du Parlement européen et du Conseil<sup>4</sup>,

vu la demande présentée le 24 janvier 2023 par Vertex Pharmaceuticals (Ireland) Limited en vertu de l'article 4, paragraphe 1, du règlement (CE) n° 726/2004,

vu les avis de l'Agence européenne des médicaments, formulés le 14 décembre 2023 par le comité des médicaments à usage humain et le 20 décembre 2023 par le comité des médicaments orphelins,

considérant ce qui suit:

- (1) Les décisions C(2019)7586(final) et C(2020)162(final) de la Commission, adoptées conformément au règlement (CE) n° 141/2000 du Parlement européen et du Conseil du 16 décembre 1999 concernant les médicaments orphelins, ont désigné "Cellules souches hématopoïétiques CD34+ autologues avec une région amplificatrice de la lignée érythroïde du gène *BCL11A* corrigée par la technologie CRISPR" comme médicament orphelin.

---

<sup>1</sup> JO L 136 du 30.4.2004, p. 1.

<sup>2</sup> JO L 18 du 22.1.2000, p. 1.

<sup>3</sup> JO L 324 du 10.12.2007, p. 121.

<sup>4</sup> JO L 92 du 30.3.2006, p. 6.

- (2) Le médicament «Casgevy - exagamglogène autotemcel» est conforme aux exigences de la directive 2001/83/CE du Parlement européen et du Conseil du 6 novembre 2001 instituant un code communautaire relatif aux médicaments à usage humain<sup>5</sup> et du règlement (CE) n° 1394/2007.
- (3) Le médicament «Casgevy - exagamglogène autotemcel» relève du règlement (CE) n° 507/2006, et notamment de son article 2, points 1 et 3. En outre, comme énoncé à l'annexe IV, le médicament satisfait aux exigences de l'article 4 dudit règlement relatives à l'octroi d'une autorisation de mise sur le marché conditionnelle.
- (4) Il convient dès lors d'octroyer l'autorisation de mise sur le marché pour le médicament «Casgevy - exagamglogène autotemcel» moyennant le respect de certaines conditions, conformément à l'article 14 -bis du règlement (CE) n° 726/2004 et au règlement (CE) n° 507/2006.
- (5) Le comité des médicaments à usage humain a estimé que la substance «exagamglogène autotemcel» est une nouvelle substance active.
- (6) Les mesures prévues par la présente décision sont conformes à l'avis du comité permanent des médicaments à usage humain,

A ADOPTÉ LA PRESENTE DECISION:

#### *Article premier*

L'autorisation de mise sur le marché conditionnelle prévue aux articles 3 et 14 -bis du règlement (CE) n° 726/2004 est octroyée pour le médicament orphelin «Casgevy - exagamglogène autotemcel», dont le résumé des caractéristiques figure à l'annexe I de la présente décision. «Casgevy - exagamglogène autotemcel» est inscrit au registre des médicaments de l'Union européenne sous le numéro EU/1/23/1787.

#### *Article 2*

L'autorisation de mise sur le marché du médicament orphelin visé à l'article premier est soumise au respect des exigences définies à l'annexe II qui sont réévaluées annuellement.

#### *Article 3*

L'étiquetage et la notice concernant le médicament orphelin visé à l'article premier devront être conformes à l'annexe III.

#### *Article 4*

L'autorisation de mise sur le marché a une durée de validité d'un an à compter de la date de notification de la présente décision.

---

<sup>5</sup> JO L 311 du 28.11.2001, p. 67.

*Article 5*

Vertex Pharmaceuticals (Ireland) Limited, Unit 49, Block F2, Northwood Court, Santry, Dublin 9, D09 T665, Ireland est destinataire de la présente décision.

Fait à Bruxelles, le 9.2.2024

*Par la Commission*

*Sandra GALLINA*

*Directeur général*